

# PROGRAMME D'ACCÈS AUX MÉDICAMENTS ÉMERGENTS DANS UN CENTRE HOSPITALIER MÈRE-ENFANT : PROFIL DES ACTIVITÉS 2020-2022

Catherine Côté-Sergerie, B.Sc.<sup>1</sup>, Jean-François Bussières, B.Pharm., M.Sc., F.C.S.H.P<sup>1,2</sup>

<sup>1</sup>Unité de recherche en pratique pharmaceutique, Département de pharmacie, CHU Sainte-Justine, Montreal, Qc, Canada <sup>2</sup>Faculté de pharmacie, Université de Montréal, Montréal, Qc, Canada

## Introduction

- Le centre hospitalier universitaire Sainte-Justine (CHUSJ) traite une patientèle mère-enfant parfois complexe et réfractaire aux thérapies conventionnelles.
- Le recours à des médicaments qui ne sont pas inscrits aux listes locales ou québécoises et pour lesquels les données disponibles en soins mère-enfant sont limitées est parfois nécessaire.
- Depuis 2014, le CHUSJ possède un programme de suivi de l'utilisation pour ce genre de médicaments, dits émergents.
- Un formulaire de justification d'utilisation doit être complété par l'équipe traitante et approuvé par le chef du département médical et le chef du département de pharmacie.

## Objectif

Décrire les activités du programme d'accès aux médicaments émergents au CHUSJ entre 2020 et 2022

## Méthode

- Revue descriptive et rétrospective des activités du programme
- Demandes d'utilisation de médicament émergent reçues entre le 1<sup>er</sup> avril 2020 et le 31 mars 2022
- Inclus les médicaments qui rencontrent au moins un des trois critères :
  - ⇒ Accessibles par le programme d'accès spécial (PAS) et peu utilisés au CHUSJ
  - ⇒ Utilisés pour des indications non approuvées et peu documentées
  - ⇒ Coûteux ( $\geq 300\$/dose$ )
- Variables collectées à partir de la base de données provenant des formulaires de demande d'utilisation :
  - ⇒ Nombre de demandes, de médicaments différents et de patients traités
  - ⇒ Critères d'émergence rencontrés (PAS, hors-indication, coûteux)
  - ⇒ Provenance de la demande (secteur de soins)
  - ⇒ Place dans la thérapie
  - ⇒ Niveau de preuve et type de données pédiatriques disponibles
  - ⇒ Les médicaments les plus demandés
  - ⇒ Portrait des coûts
- Des statistiques descriptives ont été effectuées
- Description des activités de soutien au comité de pharmacologie

- Un total de 133 demandes ont été comptabilisées, représentant 63 médicaments émergents différents et 100 patients traités
- La majorité (79/133) était pour une utilisation hors-indications (tableau 1)
- Presque la moitié (46%) provenait du service d'hémato-oncologie (figure 1)
- La majorité était pour une utilisation en 1<sup>ère</sup> ligne de traitement (figure 2)
- 50/133 étaient supportées au moins par des études cliniques randomisées/contrôlées (tableau 2)
- 58/133 étaient supportées par des études réalisées dans la population pédiatrique
- Le tramétinib a fait l'objet de 12 demandes d'utilisation pour 8 indications différentes (tableau 3)

Tableau 1. Répartition des critères d'émergence

Critère d'émergence	Nb de demandes rencontrant ce critère
PAS	15
Hors indication	79
Coûteux	60

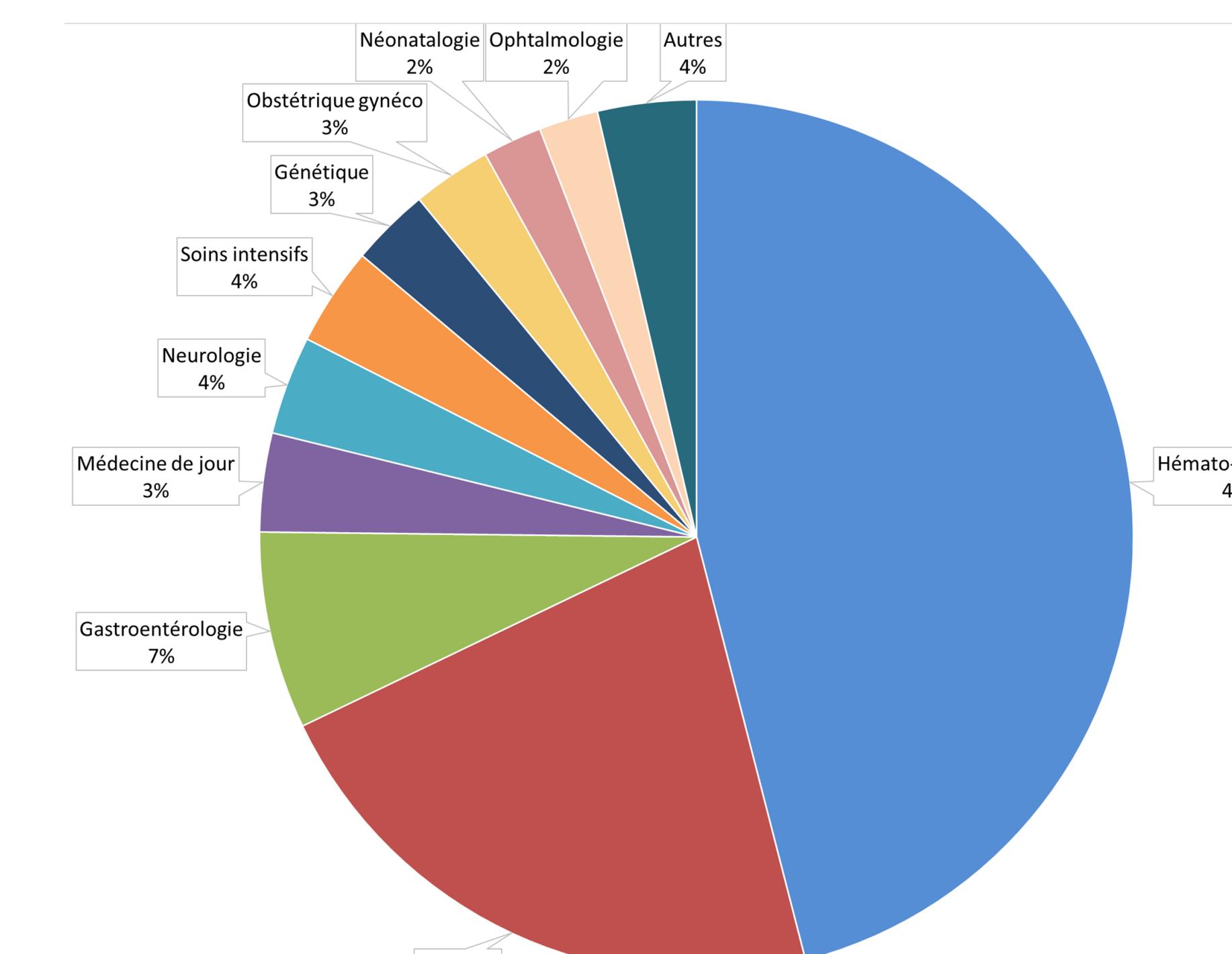


Figure 1. Profil des services demandeurs

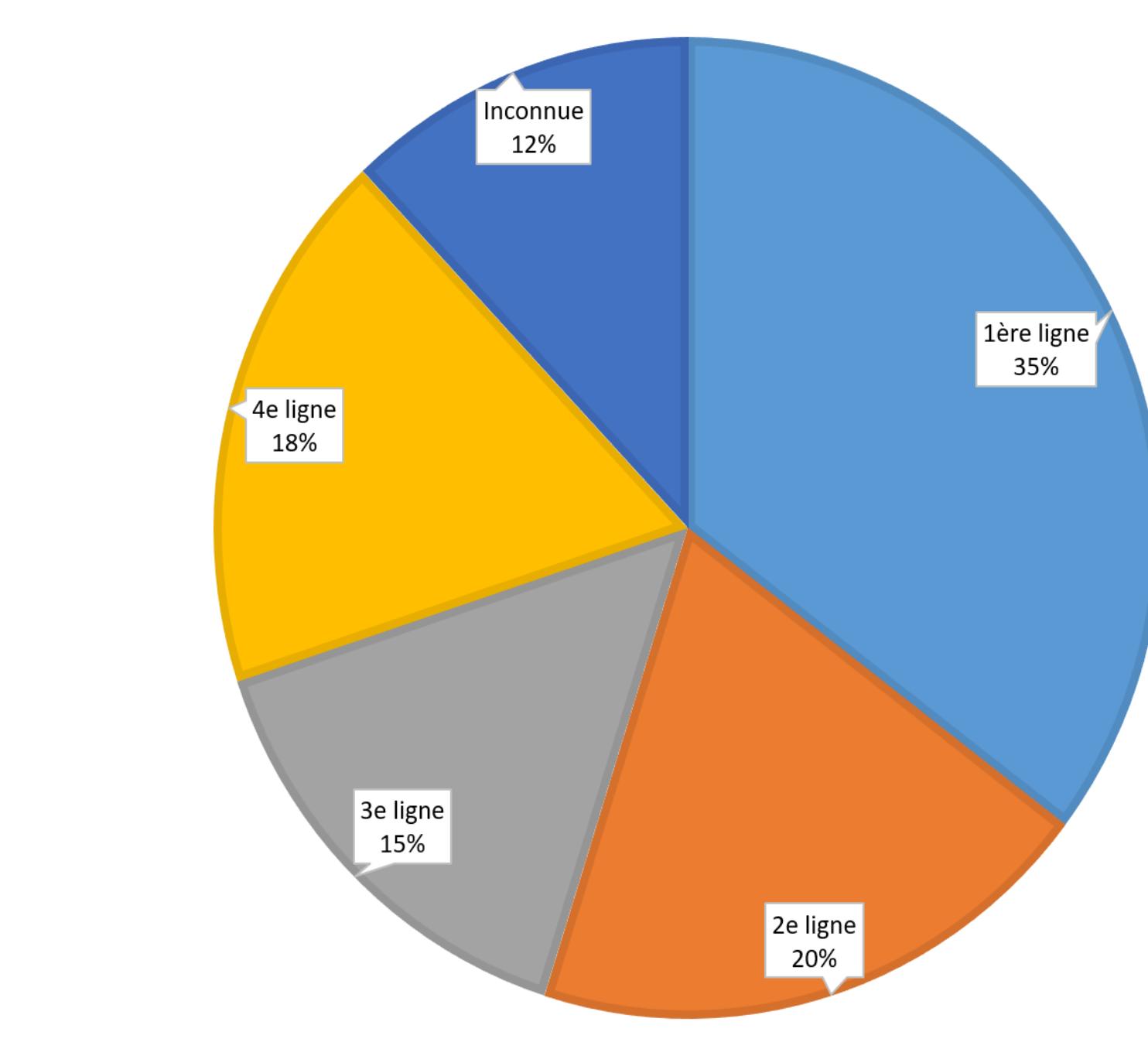


Figure 2. Place dans la thérapie

## Résultats

Tableau 2. Niveau de preuve supportant les demandes d'utilisation de médicaments émergents

Méta-analyses	Études cliniques randomisées/contrôlées	Études observationnelles	Études cas-témoins	Rapports de cas	Opinions d'experts
1	50	26	6	32	33

### Niveau de preuve

- Les coûts associés à l'acquisition de médicaments émergents coûteux sont parfois assumés par l'hôpital, par la compagnie pharmaceutique (usage compassionnel), par les assurances privées du patient ou par la RAMQ.
- Dans certains cas, des ententes entourant l'acquisition sont signées entre les différents partis (compagnie, médecin et hôpital) (n=10)
- L'étendue du coût unitaire des médicaments coûteux (n=60) est large, allant de 470\$ par fiole à 2,8 millions par dose (thérapie génique)

Tableau 3. Médicaments émergents les plus fréquemment demandés et leurs indications

Médicament	Nombre de	Indications
Sotrovimab	15	Enfants ou femmes enceintes avec confirmation d'une infection à SARS-CoV-2 et répondant aux critères d'utilisation établis
Tramétinib	12	Cardiomyopathie hypertrophique sévère ± Syndrome de Noonan (5) Anévrysmes cérébraux multiples sur maladie vasculaire endothéliale probable (1) Neurofibromatose de type 1 avec neurofibrome plexiforme (1)
Tocilizumab	5	Lymphangiomatose kaposiforme extensive (1) Gliome avec mutation BRAFQ344L et délétion CDKN2A (1), Gliome astropilocytaire (1) Astrocytome polumyxoïde métastatique en progression et fusion BRAF (1) Encéphalopathie épileptique sévère avec rasopathie BRAF (1)
Tisagenlecleucel	5	Syndrome de relargage des cytokines atypique (2) LANL en rechute post 2e GMO avec une GVH cutanée sévère réfractaire (1) Tableau inflammatoire multisystémique/arthritis systémique (2)

### Activités de soutien au comité de pharmacologie

- La ressource responsable du programme de suivi émergent offre un support au comité de pharmacologie (revue d'utilisation, évaluation scientifique)
- Cinq évaluations scientifiques effectuées et présentées au comité de pharmacologie (régularisation du statut local, i.e. ajout au formulaire local) :
  - ⇒ Alpha-glucosidase, galsulfase, idursulfase, laronidase, icatibant retirés de la liste des médicaments émergents

## Discussion/Conclusion

- Ce bilan des deux dernières années démontre que la majorité des médicaments émergents ont été destinés à des patients d'hémato-oncologie, utilisés hors-indication et coûteux. Ce profil est attendu vue l'émergence des thérapies innovantes et coûteuses dans ce domaine.
- Le sotrovimab est un nouveau médicament commercialisé pendant la pandémie du COVID-19 et utilisé dans cette indication, expliquant le nombre de demandes élevé
- Une augmentation importante du nombre de demandes comptabilisées a été notée en 2020-2022, soit 133 contre 72 pour les années 2018-2020. Possiblement expliqué par le fait qu'une ressource stable est dédiée à la gestion de l'accès à ces médicaments.
- Cette ressource assure un suivi rigoureux et centralisé entourant la gestion et l'utilisation de ces médicaments au CHUSJ.
- Ce programme permet entre autre de contribuer au bon usage de ces médicaments en faisant des suivis périodiques au chef du département de pharmacie et au comité de pharmacologie.